

PRESSEMITTEILUNG

Basilea erweitert Phase-2-Studie mit Derazantinib beim intrahepatischen Gallengangskarzinom (iCCA) um Studienkohorte für Patienten mit Mutation oder Amplifikation des FGFR2-Gens

Basel, 01. Juli 2019 – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute bekannt, dass der erste Patient in eine neue Kohorte der laufenden Phase-2-Zulassungsstudie FIDES-01 mit dem panFGFR-Kinase-Inhibitor Derazantinib bei intrahepatischem Cholangiokarzinom (iCCA) aufgenommen wurde.¹ iCCA ist ein Karzinom des innerhalb der Leber verlaufenden Teils des Gallengangs. Für Patienten mit fortgeschrittenem iCCA gibt es nur wenige Behandlungsmöglichkeiten, einhergehend mit einer ungünstigen Prognose. In die neue Studienkohorte sollen etwa 40 Patienten eingeschlossen werden, deren Tumore Mutationen oder Amplifikationen des FGFR2-Gens aufweisen. Die Patienten erhalten einmal täglich orales Derazantinib, dessen krebshemmende Wirkung mittels objektiver Ansprechrates, progressionsfreiem Überleben, Gesamtüberleben und Ansprechdauer beurteilt wird. Zudem werden Sicherheit und Verträglichkeit untersucht.

Dr. Marc Engelhardt, Basileas Chief Medical Officer, sagte: „Basierend auf präklinischen Modellen und klinischen Daten könnte Derazantinib bei einem breiten Spektrum von iCCA-Tumoren mit verschiedenen genetischen FGFR2-Veränderungen mit relevantem onkogenem Potenzial, darunter Genfusionen, Mutationen und Gen-Amplifikationen, einen Patientennutzen bieten. Bisher konnte die klinische Wirksamkeit von FGFR-Inhibitoren bei iCCA-Patienten mit FGFR2-Genfusionen gezeigt werden. Die Untersuchung der Aktivität von Derazantinib in einem breiteren Spektrum von FGFR2-abhängigen Tumoren ist daher wichtig, um das volle therapeutische Potenzial von Derazantinib bei iCCA zu beurteilen.“

Die Studie FIDES-01 (**F**ibroblast growth factor **I**nhibition with **DE**razantinib in **S**olid tumors) ist eine multizentrische, offene Phase-2-Zulassungsstudie mit Derazantinib zur Behandlung von Patienten mit inoperablem oder fortgeschrittenem iCCA mit Fusionen, Mutationen oder Amplifikation des FGFR2-Gens. Im Januar 2019 zeigte eine geplante Interimanalyse der Kohorte mit iCCA-Patienten mit FGFR2-Genfusionen eine vielversprechende Wirksamkeit und bestätigte auch das bereits früher beobachtete klinische Sicherheitsprofil und die Verträglichkeit des Medikamentenkandidaten.² Topline-Daten zur Kohorte mit iCCA-Patienten mit FGFR2-Genfusionen werden für Mitte 2020 erwartet.

Über Derazantinib

Derazantinib (früher ARQ 087) ist ein in der Entwicklung befindlicher oraler, niedermolekularer panFGFR-Kinase-Inhibitor mit starker Aktivität gegen FGFR1, 2 und 3. FGFR-Kinasen sind wichtige Treiber der Proliferation, Differenzierung und Migration von Zellen. FGFR-Genveränderungen, beispielsweise Fusionen, Amplifikationen oder Mutationen, wurden als potenziell wichtige therapeutische Angriffspunkte für verschiedene Krebsarten identifiziert, darunter intrahepatisches Cholangiokarzinom (iCCA), Urothelialekarzinom, Brust-, Magen- und Lungenkrebs.³ Bei diesen Krebsarten wurden in 5 % bis 30 % der Fälle FGFR-Genveränderungen nachgewiesen.⁴ FGFR2-Genfusionen wurden in 13-22 % der iCCA-Fälle berichtet.^{5, 6} FGFR2-Mutationen und Amplifikationen sind weniger häufig und machen bei iCCA ungefähr 10 % aller FGFR2-Genveränderungen aus.⁶ Insgesamt entfallen auf iCCA 10-20 % aller primären

Lebertumore.⁷ Basilea hat Derazantinib im April 2018 von ArQule Inc. einlizenziert. In zuvor durchgeführten klinischen Studien, darunter einer Biomarker-definierten Phase-1/2-Studie in iCCA-Patienten,² zeigte Derazantinib Aktivität gegenüber Tumoren und ein handhabbares Sicherheitsprofil. In den USA und der EU hat Derazantinib Orphan-Drug-Status für iCCA.

Über das intrahepatische Cholangiokarzinom (iCCA)

Das intrahepatische Cholangiokarzinom (iCCA) ist eine Krebsart, die ihren Ursprung im Gallensystem hat. Die altersadjustierte Inzidenzrate von iCCA in den USA ist in den letzten zehn Jahren gestiegen und wird derzeit auf etwa 1.2 pro 100'000 Einwohner geschätzt.⁸ Bei Patienten wird die Krankheit oft erst im fortgeschrittenen oder metastasierten Stadium diagnostiziert, in dem eine operative Entfernung nicht mehr möglich ist. Der aktuelle Behandlungsstandard für die Erstlinientherapie ist eine Chemotherapie mit Gemcitabin und platinhaltigen Zytostatika. Die Prognose für Patienten mit fortgeschrittener Erkrankung ist ungünstig, mit einer mittleren Lebenserwartung von weniger als einem Jahr.⁹ Für Patienten, deren Erkrankung nach Erstlinien-Chemotherapie weiter voranschreitet, gibt es derzeit keine allgemein akzeptierte Standardbehandlung, daher besteht ein hoher medizinischer Bedarf in dieser Indikation.¹⁰

Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG ist ein biopharmazeutisches Unternehmen mit vermarkteten Produkten, das sich auf die Entwicklung von Medikamenten zur Lösung der medizinischen Herausforderungen in den Therapiebereichen Onkologie und Antiinfektiva fokussiert. Basilea hat zwei vermarktete Produkte im Portfolio und erforscht, entwickelt und vermarktet innovative Medikamente für Patienten, die an schweren und lebensbedrohlichen Krankheiten leiden. Basilea Pharmaceutica AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz, und ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (SIX: BSLN). Für weitere Informationen besuchen Sie bitte die Unternehmens-Website www.basilea.com.

Ausschlussklausel

Diese Mitteilung enthält explizit oder implizit gewisse zukunftsgerichtete Aussagen wie „glauben“, „annehmen“, „erwarten“, „prognostizieren“, „planen“, „können“, „könnten“, „werden“ oder ähnliche Ausdrücke betreffend Basilea Pharmaceutica AG und ihrer Geschäftsaktivitäten, u.a. in Bezug auf den Fortschritt, den Zeitplan und den Abschluss von Forschung und Entwicklung sowie klinischer Studien mit Produktkandidaten. Solche Aussagen beinhalten bekannte und unbekannte Risiken und Unsicherheitsfaktoren, die zur Folge haben können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, die Leistungen oder Errungenschaften der Basilea Pharmaceutica AG wesentlich von denjenigen Angaben abweichen können, die aus den zukunftsgerichteten Aussagen hervorgehen. Diese Mitteilung ist mit dem heutigen Datum versehen. Basilea Pharmaceutica AG übernimmt keinerlei Verpflichtung, zukunftsgerichtete Aussagen im Falle von neuen Informationen, zukünftigen Geschehnissen oder aus sonstigen Gründen zu aktualisieren.

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:

Peer Nils Schröder, PhD Head of Corporate Communications & Investor Relations +41 61 606 1102 media_relations@basilea.com investor_relations@basilea.com

Diese Pressemitteilung ist unter www.basilea.com abrufbar

Quellenangaben

- 1 ClinicalTrials.gov identifier: NCT03230318
- 2 V. Mazzaferro, B. F. El-Rayes, M. Droz dit Busset et al. Derazantinib (ARQ 087) in advanced or inoperable FGFR2 gene fusion-positive intrahepatic cholangiocarcinoma. *British Journal of Cancer* 2019 (120), 165-171. ClinicalTrials.gov identifier: NCT01752920
- 3 R. Porta, R. Borea, A. Coelho et al. FGFR a promising druggable target in cancer: Molecular biology and new drugs. *Critical Reviews in Oncology/Hematology* 2017 (113), 256-267
- 4 T. Helsten, S. Elkin, E. Arthur et al. The FGFR landscape in cancer: Analysis of 4,853 tumors by next-generation sequencing. *Clinical Cancer Research* 2016 (22), 259-267
- 5 R. P. Graham, E. G. Barr Fritcher, E. Pestova et al. Fibroblast growth factor receptor 2 translocations in intrahepatic cholangiocarcinoma. *Human Pathology* 2014 (45), 1630-1638
- 6 A. Jain, M. J. Borad, R. K. Kelley et al. Cholangiocarcinoma with FGFR genetic aberrations: a unique clinical phenotype. *JCO Precision Oncology* 2018 (2), 1-12
- 7 N. N. Massarweh, H. B. El-Serag. Epidemiology of hepatocellular carcinoma and intrahepatic cholangiocarcinoma. *Cancer Control* 2017 (24), 1-11
- 8 S. K. Saha, A. X. Zhu, C. S. Fuchs et al. Forty-year trends in cholangiocarcinoma incidence in the U.S.: intrahepatic disease on the rise. *The Oncologist* 2016 (21), 594-599
- 9 A. Lamarca, D. H. Palmer, H. S. Wasa et al. ABC-06 | A randomised phase III, multi-centre, open-label study of Active Symptom Control (ASC) alone or ASC with oxaliplatin/5-FU chemotherapy (ASC+mFOLFOX) for patients (pts) with locally advanced/metastatic biliary tract cancers (ABC) previously-treated with cisplatin/gemcitabine (CisGem) chemotherapy. *Journal of Clinical Oncology* 2019 (37), Supplement, Abstract 4003
- 10 S. Sahu, W. Sun, Targeted therapy in biliary tract cancers - current limitations and potentials in the future. *Journal of Gastrointestinal Oncology* 2017 (8), 324-336